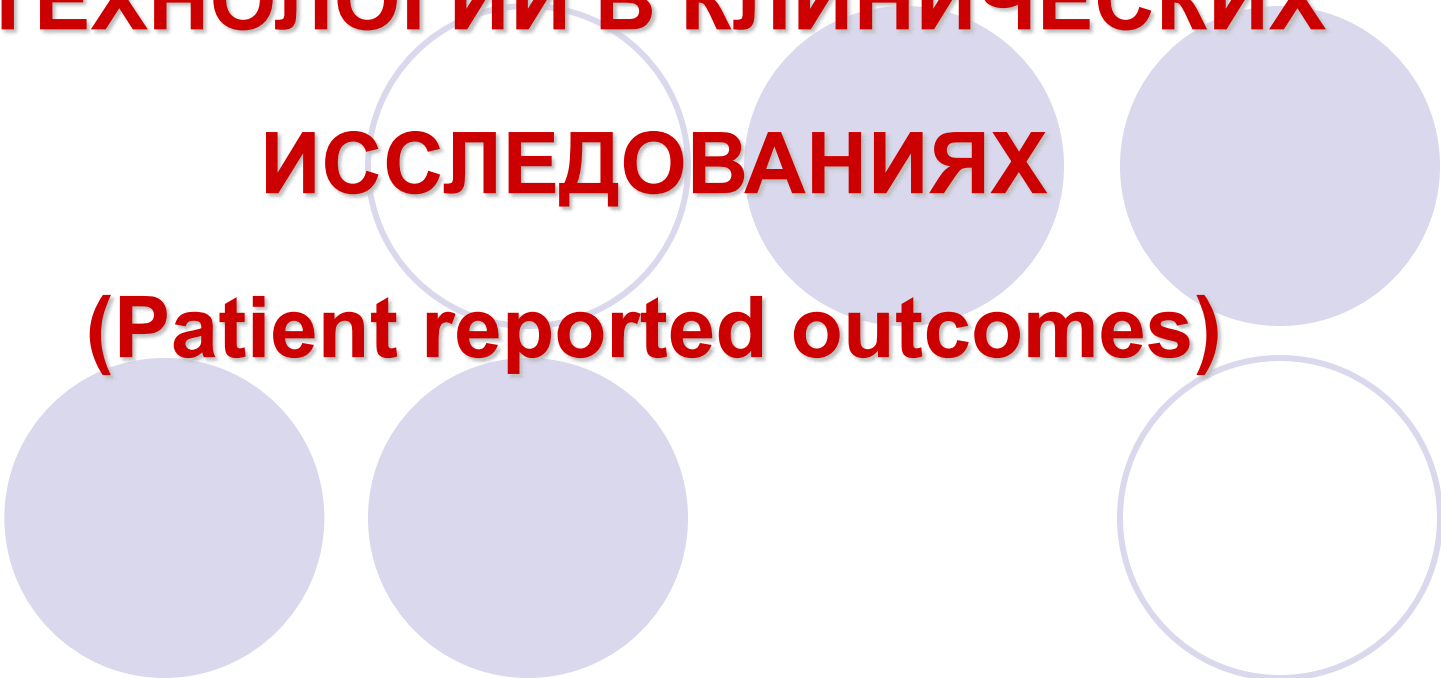


ПАЦИЕНТООРИЕНТИРОВАННЫЕ ТЕХНОЛОГИИ В КЛИНИЧЕСКИХ ИССЛЕДОВАНИЯХ

(Patient reported outcomes)



Леонова М.В.

Профессор, член-корреспондент РАЕН

Результаты, оцениваемые пациентами (*Patient Reported Outcomes – PRO*)

Современные тенденции

- **PRO** требуются для внедрения нового лекарственного продукта на фармацевтический рынок
- FDA издало первое руководство по оценке **PRO** (2006 г):
 - Использование специальных инструментов для оценки
 - Специальная одобрительная комиссия
- **PRO** служат дополнительной информацией при оценке текущей тактики лечения заболевания
 - Проведение отдельных исследований с использованием **PRO**
 - Включение методов оценки **PRO** в проводимые клинические исследования

Результаты, оцениваемые пациентами (*Patient Reported Outcomes – PRO*)

определение

- ☐ *«a measurement of any aspect of a patient's health status that comes directly from the patient...»*
- ☐ Оценка любого аспекта состояния здоровья пациента в результате лечения, предоставленная самими пациентами :
 - ☐ оценка симптомов пациентами
 - ☐ состояние здоровья
 - ☐ удовлетворенность лечением
 - ☐ активность в повседневной жизни
 - ☐ качество жизни

Результаты, оцениваемые пациентами (*Patient Reported Outcomes – PRO*)

общие вопросы

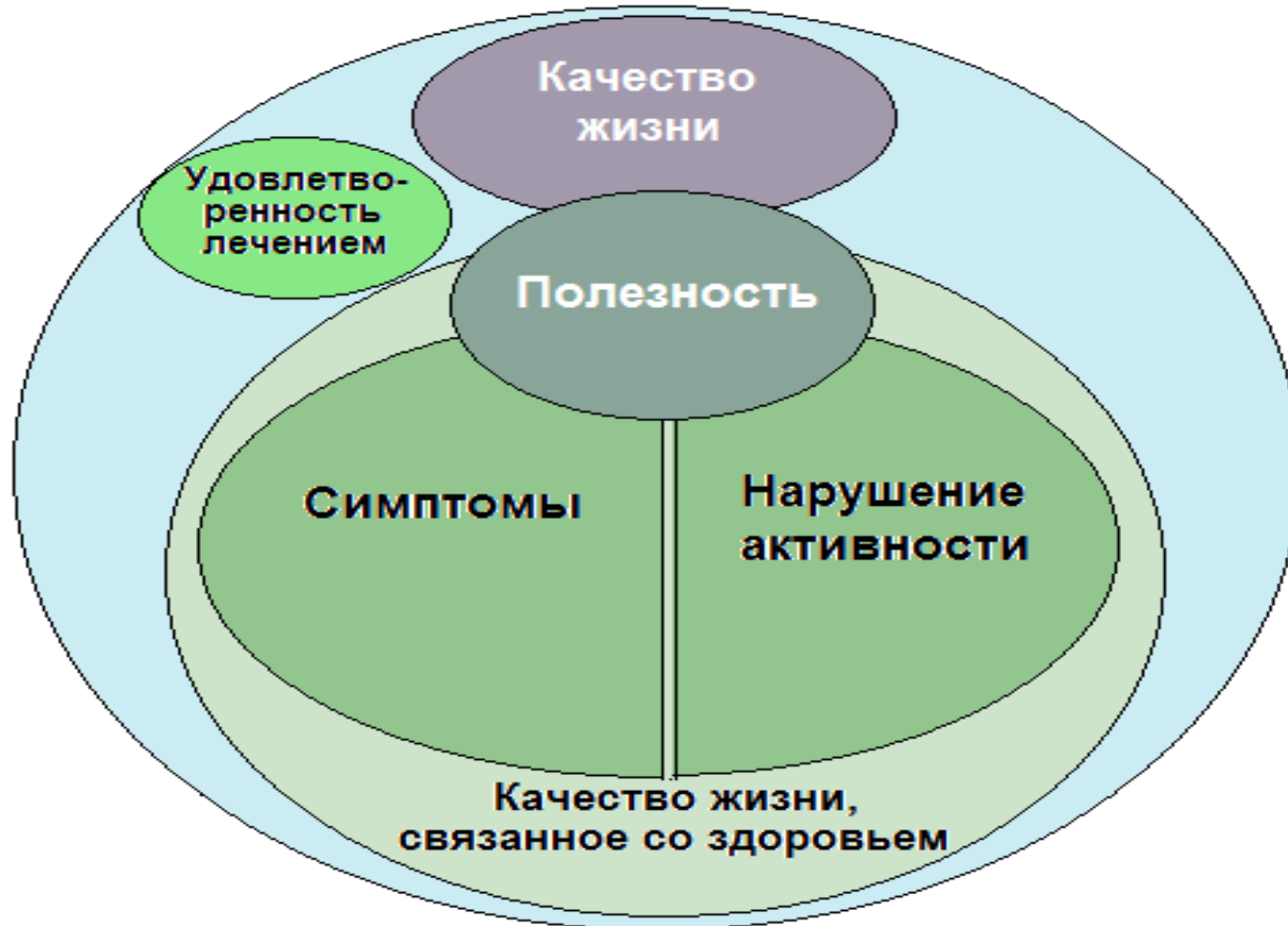
- Клинические свойства медицинского продукта, описанные в его инструкции и доказанные путем проведения специальных исследований, должны быть подтверждены отдельными методами оценок результатов лечения *самими пациентами*
- Исследования, включающие PRO, должны проводиться с помощью специально подготовленных и адаптированных инструментов
- Результаты исследований, предполагающих PRO, должны удовлетворять требования как врачей, назначающих лечение, так и пациентов, являющихся конечными его потребителями

Результаты, оцениваемые пациентами и оценка качество жизни в чем различие?

☐ **PRO** – включает оценку состояния здоровья и качество жизни с позиции пациента

☐ **Качество жизни** – включает оценку только качества жизни с позиции пациента

Результаты, оцениваемые пациентами (*Patient Reported Outcomes – PRO*)



Какие данные можно получить у пациентов с помощью PRO ?

- ☐ Выявление различных субъективных симптомов:
 - ☐ симптомы, которые невозможно изучить (боль, слабость, нарушения сна и т.п.)
 - ☐ психологические симптомы (депрессия, тревога)
- ☐ Частота возникновения симптомов
- ☐ Оценка тяжести симптомов
- ☐ Степень нарушения функционирования организма для пациента
 - ☐ степень выраженности одышки
- ☐ Влияние симптомов на нарушение повседневной жизни пациента
- ☐ Ощущения, которые испытывает пациент из-за болезни или результатов лечения

Применение PRO в качестве вторичной конечной точки в КИ



Применение PRO в качестве вторичной конечной точки в КИ

- Оценка эффективности в онкологии – как дополнительный критерий в оценке эффективности лечения
 - сравнение двух методов лечения с одинаковой выживаемостью
 - выявление негативных эффектов лечения при длительной продолжительности жизни
 - определение потребности в поддерживающей терапии
 - определение негативных эффектов адъювантной терапии

Применение PRO в качестве первичной конечной точки в КИ



Применение PRO в качестве первичной конечной точки в КИ

- Когда главным и единственным критерием в оценке эффективности терапии являются ощущения пациентов:
 - боль
 - совокупность субъективных ощущений, трудно измеримых с помощью объективных методов обследования
 - опросник оценки симптомов хр.простатита (CPSI)
 - опросник оценки симптомов ревматоидного артрита (HAQ)
 - опросник оценки контроля симптомов бронхиальной астмы (GINA, ACQ-5)
- Когда эффектом терапии является не выживаемость, а положительные или негативные эффекты лечения (или КЖ)
- При сравнении двух видов лечения с одинаковой клинической эффективностью, но разными преимуществами для пациентов (PRO)

Применение PRO в качестве первичной конечной точки в КИ

- Мета-анализ РКИ из регистра за период 1980-1997 гг частота применения PRO (в основном *HRQL**) составила 4,2 %
(в онкологии – 8,2%). *(Sanders C., 1998)*
- Анализ исследований 215 новых ЛС показал, что для 64 ЛС (30%) использовались PRO, в т.ч. для 24 ЛС (10%) - в качестве единственной конечной точки. *(Wilke R.J., 2004)*
- Мета-анализ 17704 РКИ из регистра FDA за период 2004-2007 гг - частота применения PRO составила 14% (2481 РКИ)
(Scoggings J.F., 2009)
- Анализ исследований 308 новых ЛС (2000-2012)показал, что для 70 ЛС (23%) использовались PRO, в т.ч. для 51 ЛС (17%) - в качестве первичной конечной точки. *(Gnanasakthy A., 2013)*

* *HRQL* – качество жизни, связанное со здоровьем



Инструменты PRO формы

- ☐ Общие и специфические
 - ☐ болезнь-специфические
 - ☐ популяционно-специфические (дети, подростки, пожилые)
- ☐ Одномерные (например, боль)
- ☐ Многомерные (оценка ряда характеристик: физическое и социальное функционирование, психическое здоровье и боль и пр.)

Инструменты PRO: шкалы

Типы шкал	Примеры
Визуально-аналоговая шкала (ВАШ)	Какой силы вы испытываете боль? 
Шкала с категориями	Какой силы вы испытываете боль? 
Ранговая шкала	Сколько эпизодов боли у вас было за последние 7 дней? ☐ >10 ☐ 7-10 ☐ 5-7 ☐ 2-5 ☐ <2
Чеклист	Вы испытываете боль? ☐ Да ☐ Нет
Шкала Лайкерта	Я ощущаю, что мой активный отдых нарушен после болезни. ☒ Полностью согласен ☒ Согласен ☒ Не решил ☒ Не согласен ☒ Полностью не согласен
Шкала с картинками	Выберите картинку, которая отражает ваше состояние после лечения 

Методика проведения оценки PRO

Источник репортирования

Пациент	Пациент отвечает на опросники непосредственно сам
Прокси (проху) респондент	Окружение пациента отвечает на опросники

Метод проведения

Пациент	Пациент самостоятельно записывает ответы; возможность большего раскрытия участника
Интервьюер	Интервьюер записывает ответы; помогает в случае тяжести пациента (нарушения зрения, затруднения письма или чтения) или недостаточной грамотности

Способ заполнения

Карандаш и бумага	Пациент записывает ответы ручкой
Электронный	Использование компьютера для ответов; минимизируются ошибки при вводе данных

Место проведения

Дома	Пациент заполняет опросник до или после визита к врачу; обеспечение конфиденциальности медицинской информации
Клиника	Пациент заполняет опросник в клинике - в реальном времени оценки результата лечения

Разработка инструментов PRO для КИ



Наиболее важные характеристики инструмента PRO в клинических исследованиях

Надежность, достоверность	- стабильность значений при повторных оценках (test-retest, inter-interviewer, intra-interviewer)
Валидность содержания и структуры	- способность всесторонне и полностью отражать именно интересующую область исследования - доказательство, что корреляционные взаимосвязи тем (шкал, доменов) сохраняются при оценке одинаковых или разных групп пациентов
Способность определить динамику	- доказательство, что используемые показатели могут выявить динамику во времени, необходимую в клиническом исследовании (достаточная чувствительность)



Заключение

- **PRO** являются важными пациенто-ориентированными технологиями в оценке эффективности и безопасности новых медицинских вмешательств
- Использование **PRO** в клинических исследованиях позволяет уточнить значимость отдельных симптомов и функций в развитии заболевания и достижения лучших результатов лечения
- В клинических исследованиях должны использоваться только валидированные инструменты **PRO**, в т.ч. адаптированные на русский язык

БЛАГОДАРЮ ЗА ВНИМАНИЕ

